

## Informe Anual De 2017

Descargue informe anual de 2017 [pdf]

Vea nuestro previo informe anual



## MISIÓN

Acelerar los tratamientos con células madre para pacientes con necesidades médicas no cubiertas

Con nuestra ayuda, las buenas ideas tienen el poder de transformar la medicina, las vidas y el futuro.

Se necesita compromiso y valor para desafiar lo que hemos hecho antes, y exigimos más para mejorar constantemente, con el objetivo de cumplir nuestra misión.

### Porque cada momento cuenta.

En el Instituto para la Medicina Regenerativa de California (CIRM, por sus siglas en inglés), nunca nos olvidamos de que el pueblo de California nos creó cuando aprobó la Proposición 71 en 2004, autorizando \$3 billones para financiar la investigación de células madre en California.

Para enfrentar este desafío, nuestro equipo de profesionales altamente capacitados y experimentados colabora activamente tanto con el ámbito académico como con la industria en un entorno práctico y empresarial, para acelerar el desarrollo de las más prometedoras tecnologías de células madre.

CIRM está concentrado en el logro de su misión por medio de la financiación oportuna y eficaz de proyectos de alta calidad sobre las células madre y la aceleración de la entrega de los tratamientos y curas resultantes para los pacientes que los necesitan.

Para obtener información adicional, visite [www.cirm.ca.gov](http://www.cirm.ca.gov).

## UN NUEVO LÍDER AL MANDO



Identificar a la persona correcta para que lidere una organización puede ser muy difícil.

Sin embargo, cuando Randy Mills anunció que estaba por dejar el cargo como presidente y director general del CIRM, en mayo de este año, fue muy fácil elegir a su sucesor.

La Dra. María Millán ha sido un miembro clave de nuestro equipo desde que se unió al CIRM en 2012.

María fue la fuerza impulsora detrás de la red de clínicas de células madre "Alpha" del CIRM y ayudó a dar forma a nuestro plan estratégico, que ha sido—y continuará siendo—el mapa de ruta de nuestra organización durante los próximos años. Como encargada de nuestro equipo "Therapeutic" (terapéutica), María fue responsable de encabezar nuestra búsqueda de solicitantes de alta calidad para ensayos clínicos. Con su formación como cirujana de trasplantes, investigadora y ejecutiva de biotecnología, se ha dedicado incansablemente a asegurar la salud de los pacientes. María fue una elección natural para continuar el trabajo de Randy.

Nuestro Consejo del CIRM cree que María es la persona adecuada, en el momento adecuado, con las habilidades adecuadas para ayudarnos a llegar al siguiente nivel—a impulsar el futuro del campo de la medicina regenerativa.

Además de dedicarse de lleno a todo lo que hace, María representa la continuidad en CIRM, ayudándonos a mantenernos concentrados en lograr nuestra misión de acelerar los tratamientos con células madre para pacientes con necesidades médicas no cubiertas—y con la obvia urgencia que exige este trabajo. Todos los días.

Atentamente en honor a la salud,

Jonathan Thomas, Ph.D., J.D.  
PRESIDENTE, INDEPENDENT CITIZENS' OVERSIGHT COMMITTEE (COMITÉ CLEDAIANO INDEPENDIENTE DE SUPERVISIÓN)

## APERTURA DE NUEVOS CAMINOS

Me siento honrada y afortunada de tomar el rol del nuevo presidente y director general del CIRM durante un periodo de tiempo tan crucial en la historia del CIRM y del campo de las células madre y la medicina regenerativa.

Continuamos abriendo caminos.

En 2017, los programas del CIRM fueron los primeros en obtener la designación recientemente acuñada de terapia avanzada de medicina regenerativa (RMAT, por sus siglas en inglés) de la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés). Este camino acelerado fue posible gracias a la ley bipartita de Curas del Siglo XXI (21st Century Cures Act), que reconoce la importancia de la investigación de células madre, aportando recursos para acelerar el progreso en el campo.

En 2017, la FDA aprobó la comercialización de los primeros dos productos de terapia con células genéticamente modificadas en los Estados Unidos. Ha sido un largo camino para estos programas y aún quedan muchas posibles curas con células y regenerativas por desarrollar. El CIRM continúa jugando un papel crucial en esta travesía. Por medio de la financiación y la colaboración activa, el CIRM ha provisto un camino claro y predecible para poder convertir los descubrimientos en terapias. La terapia con células ya no es algo teórico ni una esperanza lejana.

Si no fuera por CIRM, podrían haberse retrasado o descontinuado muchos programas que actualmente están en ensayos clínicos y abordan problemas médicos debilitantes y mortales, debido a la falta de fondos. Como consecuencia, estamos viendo más asociaciones e inversión industrial continuada—casi \$390 millones este año—para fomentar los programas financiados por CIRM.

Al invertir cuando otros todavía no están preparados para hacerlo, la asociación de CIRM permite que los investigadores desarrollen una propuesta de valor que atraiga a subsiguientes inversores y proyectos conjuntos dentro de la industria.

Nuestra solicitud y nuestro proceso de financiación simplificados nos han permitido desarrollar una sólida cartera de proyectos de células madre sin igual. El valor que ofrecemos continúa aumentando y atrayendo una atención significativa a medida que el campo continúa expandiéndose.

Me complace informar que estamos cerca de lograr y, en muchos casos, exceder nuestras ambiciosas metas estratégicas de cinco años. En CIRM, nos impulsa nuestro firme compromiso hacia los pacientes para acelerar el desarrollo de los tratamientos con células madre e invertir audazmente en el futuro de la medicina.

Atentamente,

María T. Millán, M.D.  
PRESIDENTE Y DIRECTORA GENERAL



## Acelerando curas

La innovación impulsa la transformación

Es por eso que CIRM respalda la investigación a todo nivel: desde las etapas más fundamentales hasta las finales, antes de que la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) de los Estados Unidos la apruebe para su uso. La inversión de 2017 en nuestros cinco programas incluye lo siguiente:

 <b>INFRAESTRUCTURA</b>	 <b>EDUCACIÓN</b>	 <b>DESCUBRIMIENTO</b>	 <b>TRADUCCIÓN</b>	 <b>CLÍNICO</b>
<b>\$16 MILLONES</b> El CIRM financió la expansión de la red de clínicas "Alpha" de células madre financiando dos clínicas "Alpha" adicionales en la Universidad de California en Davis (University of California in Davis) (UC Davis) y la Universidad de California en San Francisco (University of California in San Francisco) (UC San Francisco).	<b>\$1 MILLÓN</b> El CIRM respaldó los programas SPARK y Bridges para capacitar a la próxima generación de científicos de células madre, y organizó conferencias para ayudar a compartir conocimiento y promover el campo.	<b>\$45 MILLONES</b> Respaldamos e invertimos en investigaciones que están en etapa temprana, y que exploran nuevos y revolucionarios tratamientos y tecnologías de células madre.	<b>\$24 MILLONES</b> El CIRM ayuda a que la mejor investigación a nivel de descubrimiento avance al siguiente nivel estableciendo, apoyando y respaldando cada uno de los proyectos con paneles de asesoramiento clínico y otros recursos para aumentar las probabilidades de éxito.	<b>\$213 MILLONES</b> Estamos desarrollando una cartera de proyectos terapéuticos de primera categoría y respaldando cada uno de los proyectos con paneles de asesoramiento clínico y otros recursos para aumentar las probabilidades de éxito.



## TRANSFORMANDO LA MEDICINA *cada momento cuenta*

Imagine una vida que es mucho más breve de lo que debería ser, llena de viajes a la sala de emergencias, estadías hospitalarias prolongadas—y los desafíos y complicaciones de una enfermedad que no puede curarse con la medicina moderna.

Esta es la realidad de muchos pacientes. Pero en CIRM, deseamos cambiarla. En 2016, demostramos que la cura es posible. En 2017, continuamos nuestro compromiso tenaz con nuestra misión:

- invirtiendo en investigación, mucho antes de que las compañías farmacéuticas o capitalistas de riesgo demostraran interés;
- orientando y asesorando a nuestros socios, para que juntos podamos mejorar las probabilidades de éxito de un proyecto, y
- trabajando con defensores de pacientes y otros accionistas para encontrar curas.

Porque si depende de alguien, depende de nosotros. Porque las terapias basadas en células *dan buenos resultados*. Y es por eso que hacemos lo que hacemos.

## Nuestro impacto

Acelerando los tratamientos con células madre para pacientes  
*Porque cada momento cuenta*

67  
PANELES DE ASESORAMIENTO CLÍNICO CONVOCADOS EN 2017

25%  
DE TODAS LAS DESIGNACIONES DE TERAPIA AVANZADA DE MEDICINA REGENERATIVA (RMAT) SON PROGRAMAS DE CIRM

43  
TOTAL DE ENSAYOS CLÍNICOS

703  
TOTAL DE PACIENTES INSCRITOS EN ENSAYOS CLÍNICOS FINANCIADOS POR CIRM

806  
PROYECTOS FINANCIADOS DESDE EL COMIENZO DE CIRM

1,189  
LOS CAMPEONES DE LAS CÉLULAS MADRE (PERSONAS QUE SE HAN INCURTO PARA SER PATENTADAS Y DISEÑADORAS DE LA INVESTIGACIÓN DE CÉLULAS MADRE EN TODO EL MUNDO)

16  
NUEVOS ENSAYOS CLÍNICOS EN 2017 QUE ABORDAN ENFERMEDADES DEGENERATIVAS. PARA LAS CÉLULAS NO EXISTE ACTUALMENTE OTRAS OPCIONES. ESTOS ENSAYOS TIENEN EL POTENCIAL DE CAMBIAR EL PARADIGMA DE LA MEDICINA Y EL FUTURO DE AQUELLOS QUE SUFREN ESTAS ENFERMEDADES DEBILITANTES.

- LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA (2 ENSAYOS)
- TALASEMIA ALFA MAYOR
- ENFERMEDAD DE LOU GEHRIG
- ESCLEROSIS LATERAL AMIOTRÓFICA (ALS, POR SUS SIGLAS EN INGLÉS) (2 ENSAYOS)
- CÁNCER CEREBRAL - GLIOMA (CÉLULAS T-CAD)
- LEUCEMIA LINFOCÍTICA CRÓNICA (CLL)
- TRASPLANTE DE HÍGADO (2 ENSAYOS)
- ENFERMEDAD RENAL
- MELIOMA MULTIPLE
- OSTEOARTRITIS
- INRUDOPENCIA COMBINADA GRANDE (GCD)
- ENFOLIA CEREBRAL
- DIABETES TIPO 1 (2 ENSAYOS)

8  
NUEVOS EVENTOS DE ASOCIACIÓN EN 2017 (CONFERENCIAS, SIMPOSIOS Y FINANCIACIÓN ADICIONAL)

## 2017: UN MOMENTO DECISIVO PARA LA MEDICINA

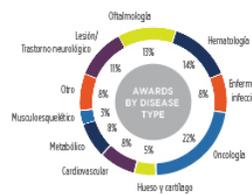
Las nuevas terapias basadas en células están creando una nueva base para tratar y curar enfermedades debilitantes y mortales, que hace unos pocos años se consideraban incurables.

### ACCESO MÁS RÁPIDO A TRATAMIENTOS PROMETEDORES

Por medio de la Ley de Curas del Siglo XXI (21st Century Cures Act), la FDA introdujo nuevos procedimientos en 2017, tales como la designación de terapia avanzada de medicina regenerativa (RMAT, por sus siglas en inglés), para ayudar a acelerar el acceso a las terapias más prometedoras, un avance que concuerda con las metas del CIRM.

En 2017, la FDA otorgó la categoría de RMAT a 12 proyectos. Seis están conectados a CIRM, incluyendo tres ensayos clínicos financiados por el CIRM.

- **Humacito**, creando vasos sanguíneos basados en células madre para personas que reciben diálisis debido a una enfermedad renal.
- **Cyte**, utilizando células madre para reparar y sustituir las células en el ojo atacadas por la retinitis pigmentosa, una enfermedad que destruye la vista, y
- **Astertas**, utilizando células madre para reparar el daño causado por una lesión de la médula espinal.



### CARTERA DE DESARROLLO CLÍNICO

Nuestra cartera de desarrollo clínico se caracteriza por 47 programas que utilizan diversas tecnologías para abordar una amplia gama de enfermedades. La cartera de CIRM se clasifica en dos grupos amplios:

**Programas en etapa clínica:** 38 programas activos con el propósito de finalizar un ensayo, desde la Fase I hasta la Fase 3, en nuestra clínica.

**Programas de investigación de la presentación de nuevas drogas (IND, por sus siglas en inglés):** Nueve programas para los cuales tenemos el objetivo de presentar nuevas drogas en investigación a la FDA, el último paso necesario antes de empezar un ensayo clínico.



### ENSAYOS CLÍNICOS: Un vistazo

Con una cantidad cada vez mayor de ensayos clínicos para monitorizar – y muchos más en camino – necesitamos una nueva herramienta para que resulte más fácil ver de un vistazo los ensayos que estamos financiando, y todos los detalles clave de cada uno de los programas.

Nuestro tablero de mandos para ensayos clínicos en [www.CIRM.ca.gov](http://www.CIRM.ca.gov) le dice clasificar cada ensayo por tipo de enfermedad, investigador, compañía o institución, y fase, así como cuántos pacientes se inscribirán. También incluye enlaces al sitio [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov), que detalla la elegibilidad de los pacientes y cómo realizar la solicitud.

Nuestra meta es hacer que sea lo más fácil posible encontrar la información que necesita.

5 TRANSFORMANDO LA MEDICINA. CADA MOMENTO CUENTA.

## #ESPERANZADOR

PACIENTE

**RONNIE KASHYAP**  
Diagnosticado con la enfermedad de inmunodeficiencia combinada grave (SCID, por sus siglas en inglés)

“Sin CIRM y los investigadores y médicos en UCSF y el Hospital de Investigación para Niños “St. Jude” (St. Jude Children’s Research Hospital), hoy podríamos no estar aquí con Ronnie”.

Ronny “Ronnie” Kashyap parecía ser un bebé normal y saludable cuando nació. Pero un examen médico indicó que Ronnie tenía SCID ligada al cromosoma X – un trastorno inmunológico potencialmente mortal que lo dejó imposibilitado de luchar contra las infecciones. Durante meses, Ronnie tuvo que permanecer en una unidad de aislamiento en la Universidad de California, San Francisco, en donde los médicos tomaron las propias células madre de la sangre de Ronnie, las reestructuraron genéticamente para corregir el gen defectuoso y las volvieron a colocar en su cuerpo. La meta: crear un suministro de sangre totalmente nuevo y saludable, y reparar el sistema inmune de Ronnie.

“Él es un bebé muy alegre y maravilloso, lleno de energía, curiosidad y diversión”, dice Pawash Kashyap, el papá de Ronnie. “Cada momento con él es preciado”.

Fue un comienzo escalofriante en la vida de Ronnie. Ahora hay esperanza para el futuro de este pequeño superhéroe.



En el Informe anual del año pasado, destacamos a Evangelina Padilla Vaccaro, una niña que nació con una forma diferente de SCID que Ronnie. Ahora Evie es una niña de seis años, alegre y saludable.

El CIRM está profundamente comprometido a tratar el SCID, por lo cual actualmente estamos financiando los ensayos clínicos enfocados en diferentes formas de la enfermedad – un reflejo de nuestro compromiso de atacar cada problema desde múltiples direcciones y hacer todo lo posible para encontrar terapias eficaces.

## Aumento de la participación de la industria

La financiación inicial del CIRM de la investigación y las terapias innovadoras ha incitado a la inversión dentro de la industria para respaldar más estos proyectos. El 2017 fue un año crucial para la participación de las industrias en proyectos financiados por CIRM.

### ASOCIACIONES COMENZADAS EN 2017: LICENCIAS, OPCIONES Y FINANCIACIÓN ADICIONAL

La inversión inicial del CIRM en programas e infraestructura ha ayudado a que los investigadores, las compañías y las instituciones atraigan apoyo adicional.

ENFERMEDAD	SOCIO DE LA INDUSTRIA	FINANCIACIÓN DE 2017
1. INMUNODEFICIENCIA COMBINADA GRAVE Y DEFICIENTE EN ADENOSSINA DEAMINASA	ORCHARD THERAPEUTICS	\$10,000,000
2. ENFERMEDAD GRANULOMATOSA CRÓNICA LIGADA AL CROMOSOMA X	ORCHARD THERAPEUTICS	NO SE DIVULGÓ
3. LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA	FORTY SEVEN, INC.	\$75,000,000
4. TRASTORNO GENÉTICO PEDIÁTRICO	AVROBIO, INC.	NO SE DIVULGÓ
5. VIH/SIDA	CSL BEHRING	\$91,000,000
6. LEUCEMIA LINFOCITICA CRÓNICA	ONCTERNAL, INC.	\$18,400,000
7. CÁNCER CEREBRAL	MUSTANG BIO, INC.	\$9,500,000
8. DEGENERACIÓN MACULAR RELACIONADA CON LA EDAD	SANTEN PHARMACEUTICAL	NO SE DIVULGÓ
<b>TOTAL</b>		<b>\$388,900,000 +</b>

“El CIRM ha financiado todo el proceso de nuestro trabajo en regeneración cardíaca—desde los descubrimientos básicos hasta los estudios preclínicos”. Como consecuencia de su apoyo, establecimos Tenaya Therapeutics, una novel empresa local que se lanzó realizando una inversión de Serie A con \$50 millones y tiene el objetivo de abordar la insuficiencia cardíaca”.

**DEEPAK SRIVASTAVA, M.D.**  
Presidente, Gladstone Institutes

### FONDOS APALANCADOS HASTA LA FECHA:

**\$1,900 MILLONES**

LA FINANCIACIÓN APALANCADA SE DIVIDE EN 3 CATEGORÍAS PRINCIPALES:

**COFINANCIACIÓN**  
Financiación de instituciones, industrias o inversores que se unen a CIRM para financiar un proyecto específico al inicio del proceso. La financiación de CIRM y el socio es concurrente.

**\$911 MILLONES**

**TRABAJO CONJUNTO**  
Respaldo comprometido con socios, independiente de la financiación de CIRM, para ayudar a que avance el proyecto.

**\$582 MILLONES**

**VENTAJA DE LA FINANCIACIÓN ADICIONAL**  
Cualquier financiación adicional que uno de los investigadores principales pueda atraer para un proyecto debido a la financiación de CIRM.

**\$395 MILLONES**

La cistinosis es una enfermedad rara que generalmente afecta a los niños antes de los dos años de edad y puede llevar a una insuficiencia renal terminal antes de su décimo cumpleaños. Los actuales tratamientos son limitados, por lo cual el Consejo de CIRM aprobó una suma de \$5.2 millones para una investigación que posiblemente resulte en un tratamiento seguro y eficaz que se aplica una sola vez.

La cistinosis es producto de una mutación genética que permite la acumulación de un aminoácido (cisteína) que daña los riñones, los ojos, el hígado, los músculos, el páncreas y el cerebro de niños y adultos. Existe una terapia aprobada por la FDA, cisteamina, pero esto solo atrasa el avance de la enfermedad. Tiene efectos secundarios graves. Las personas que reciben este tratamiento igual requieren trasplantes de riñón, y pueden desarrollar diabetes, trastornos neuromusculares e hipotiroidismo.

La investigadora Stephanie Cherqui, Ph.D., de la Universidad de California, San Diego, y su equipo, creen que existe un mejor enfoque. Su meta es tomar células madre sanguíneas de personas con cistinosis, modificarlas genéticamente para eliminar la mutación que causa la enfermedad y luego devolverlas al paciente. La esperanza es que las células madre sanguíneas modificadas creen un nuevo sistema sanguíneo saludable, libre de la enfermedad.

Aunque este es un proyecto en su primera etapa, se ha asociado con AVROBIO, una compañía que se especializa en enfermedades raras – un ejemplo de la participación de la industria en proyectos de etapa temprana financiados por CIRM.

“El apoyo de CIRM ha sido crucial en el avance del enfoque de la terapia genética con células madre para la cistinosis. El CIRM ha provisto no solo una financiación decisiva sino también apoyo. Ambos son cruciales para el éxito de semejante proyecto”.

**STEPHANIE CHERQUI, Ph.D.**  
Profesora asociada,  
Universidad de California, San Diego



**TEJAL DESAI, Ph.D.**  
UNIVERSIDAD DE CALIFORNIA, SAN FRANCISCO

### NUEVO TRATAMIENTO PARA LA DIABETES

Cada uno de los descubrimientos científicos comienza con alguien que se pregunta: “Me pregunto qué pasaría si...”

Es por eso que CIRM respalda los descubrimientos: la fundamental investigación médica que saca a la luz información vital que puede llevar a terapias que salvan vidas.

Liderando un proyecto de Investigación financiado por CIRM, para desarrollar semejante terapia para la diabetes tipo 1, está Tejal Desai, Ph.D., una bioingeniera laureada, y educadora y administradora consumada de la Universidad de California, San Francisco.

La Dra. Desai dice que el apoyo de la Investigación de descubrimientos es decisivo para el avance de la ciencia. La diabetes es una enorme necesidad médica no cubierta. Para resolverla se requerirá una solución multifacética que una a los científicos e ingenieros.

“Este es el momento y lugar correctos para abordar la diabetes, y CIRM ha permitido que investigadores con diferentes áreas de experiencia aúnen esfuerzos. Finalmente, esta fusión de ideas es lo que hará que seamos exitosos”.

7 TRANSFORMANDO LA MEDICINA. CADA MOMENTO CUENTA.

INFORME ANUAL DE 2017 8



LLEVANDO A LA MEDICINA AL SIGUIENTE NIVEL

Después de que el Consejo de CIRM aprobara nuestro plan estratégico en 2015, nos comprometimos a lograr algunas metas ambiciosas antes de 2020.

Han pasado dos años y he aquí cómo estamos avanzando:



DESCUBRIR

**META:** Introducir 50 nuevos candidatos en desarrollo.

**POR QUÉ:** Siempre comenzamos con la investigación de los descubrimientos. Sin nuevos descubrimientos, nunca habrá nuevos tratamientos o curas. Respalda esto asegura que tengamos fuentes sólidas de nuevos proyectos prometedores.

**ESTADO:** Con 24 nuevos candidatos que se introdujeron en los últimos dos años, estamos desarrollando un proceso para ayudarnos a alcanzar nuestra meta.



AVANZAR

**META:** Aumentar los proyectos que avanzan a la siguiente fase de desarrollo en un 50 por ciento.

**POR QUÉ:** Deseamos hacer todo lo posible para que los proyectos exitosos pasen a la siguiente fase (por ejemplo, del descubrimiento a la traducción). Estos avances destacan un proyecto que está a un paso más cerca de ayudar a los pacientes.

**ESTADO:** Nuestro avance aquí ha sido estelar. La meta de CIRM para el año era que avanzaran 16 proyectos al siguiente nivel. Logramos esto para 29 proyectos hasta la fecha, y a este ritmo, logremos nuestra meta.



PERFECCIONAR

**META:** Restablecer un nuevo paradigma regulatorio más eficaz para las terapias con células.

**POR QUÉ:** Hasta este año, la cantidad de nuevas terapias con células madre aprobadas en los últimos 15 años fue mínima. Necesitábamos urgentemente cambiar eso creando un proceso regulatorio más eficaz.

**ESTADO:** La Ley de Curas del Siglo XXI ha creado nuevas vías de avance veloces para las terapias con células madre. Hemos avanzado considerablemente, financiando tres de los 12 proyectos a los que se otorgó la categoría de RMAT en 2017.



ACELERAR

**META:** Reducir el tiempo de traducción (descubrimiento a ensayo clínico) en un 50 por ciento.

**POR QUÉ:** Los candidatos a células madre llevan casi tres veces más tiempo para avanzar desde la etapa de una buena idea a un ensayo clínico que los candidatos a terapia sin células. Nos comprometimos a reducir el tiempo por la mitad para las terapias con células madre.

**ESTADO:** Nuestro indicador de "hito logrado a tiempo" indica que estamos avanzando bien; nuestros nuevos centros de traducción y aceleración aumentarán significativamente nuestro ímpetu.



VALIDAR

**META:** Agregar 50 nuevos ensayos clínicos a la cartera de CIRM.

**POR QUÉ:** Los ensayos clínicos nos permiten ver qué tan bien un tratamiento promotor funciona para los pacientes. Nuestra meta es tener tantos proyectos en ensayos clínicos como sea posible, para poder aumentar la probabilidad de lanzar nuevos tratamientos al mercado.

**ESTADO:** Este año agregamos 16 nuevos ensayos clínicos a nuestra cartera. En solo dos años, estamos bien encaminados a lograr nuestra meta.



ASOCIARSE

**META:** Asegurar la asociación comercial para un 50 por ciento de nuestros proyectos clínicos sin asociación.

**POR QUÉ:** Para ser exitosos en nuestra misión, necesitamos el apoyo de la industria para que nos ayude a poner nuestros tratamientos al alcance de los pacientes. Trabajar con quienes están en el campo provee a nuestros programas prometedores una gran probabilidad de éxito.

**ESTADO:** Este año incluyó ocho nuevos proyectos asociados (licencias, opciones y financiación adicional). A medida que la especialidad continúe avanzando y más de nuestros programas demuestren su promesa en ensayos clínicos, estos números continuarán aumentando.

ENCAMINADO

24 DE 50 NUEVOS CANDIDATOS

SUPERADO CON CRECES

29 PROYECTOS HASTA LA FECHA

LIDERAR

CAMINO REGULATORIO ACCELERADO; 25% DE TODAS LAS DESIGNACIONES DE R-MAT OTORGADAS POR LA FDA

AUMENTO

3 MEDICAMENTOS EN INVESTIGACIÓN NUEVOS (IND) EN MENOS DE 18 MESES

AVANZAMOS

26 DE 50 NUEVOS ENSAYOS

AUMENTO

8 PROYECTOS ASOCIADOS

En CIRM, siempre estamos buscando maneras de mejorar para ser más rápidos, más listos, más eficientes y más efectivos.

Acelerar la manera en que trabajamos ha producido algunos resultados sorprendentes. Hemos reducido la cantidad que gastamos por solicitud al tiempo que aumentamos la velocidad con la que esas solicitudes pasan por el proceso de revisión. Al mismo tiempo, hemos mantenido la calidad de los programas que estamos financiando, lo que se refleja en el hecho de que un 75 por ciento de estos alcanzan los hitos operativos a tiempo.

LOS LOGROS OPERATIVOS INCLUYEN:

- Ejecutar el plan estratégico antes de lo programado
- Aumento de programas en ensayos clínicos
- Relaciones fortalecidas con inversores y la industria
- Disminución de los costos operacionales
- Financiación acelerada de subvenciones

75%  
MÁS PROGRAMAS FINANCIADOS DE ALTA CALIDAD

82%  
HITOS DE ÉXITOS CLÍNICOS

2.5%  
EXPANSIÓN DE LA CARTERA DE ENSAYOS CLÍNICOS

82%  
MENOS TIEMPO PARA SU APROBACIÓN

33%  
MÁS SOLICITUDES REVISADAS

57%  
COSTO MÁS BAJO POR SOLICITUD

75% HITOS CLAVE LOGRADOS A TIEMPO

MIEMBRO DEL GRUPO DE TRABAJO PARA SUBVENCIONES (SWG)

MARK NOBLE, Ph.D.,  
UNIVERSIDAD DE ROCHESTER

LIDERANDO UN NUEVO FUTURO

El Dr. Mark Noble es un pionero en la Investigación de células madre y director del Instituto de Células Madres y Medicina Regenerativa de la Universidad de Rochester en Nueva York.

Desde 2011, el Dr. Noble ha sido miembro del SWG de CIRM, el panel de expertos científicos independientes con los que cuenta el CIRM para revisar las solicitudes de financiación y decidir cuáles son las mejores.

"Este es el más interesante panel de revisión", dice el Dr. Noble. "Lo que lo diferencia es que CIRM reúne a expertos que trabajan en una amplia gama de disciplinas y áreas de enfermedades".

El dice que es fascinante participar en la revisión de las solicitudes de subvenciones porque puede ver directamente los frutos de la larga inversión de CIRM y tiene la oportunidad de evaluar proyectos que ahora están en ensayos clínicos o bien encaminados hacia los mismos.

Ver como ha crecido el campo de las células madre hasta llegar a ser lo que es en la actualidad es una aventura emocionante. Me siento privilegiado de estar trabajando con CIRM para ayudar a crear un futuro mejor".

## GANADORES DEL "GAME BALL" (PREMIOS A LA EXCELENCIA EN EL DESEMPEÑO) DE CIRM DEL AÑO 2017

Cada día en todo el mundo, hay muchas vidas en riesgo. Es por eso que la misión de CIRM—y la motivación de nuestra gente—está totalmente concentrada en hacer todo lo posible para aportar al bienestar de los pacientes. Los ganadores de nuestro premio "Game Ball" lideran este esfuerzo. Estos miembros del equipo, que viven y respiran lo que representamos y la pasión que intentamos infundir en nuestro trabajo, cuentan con nuestro más profundo reconocimiento y respeto.



### EQUIPO "THERAPEUTICS"

Por su tenaz insistencia en la búsqueda de proyectos de ensayos clínicos de alta calidad que ha aprobado nuestro Consejo.

**LO SOB HACE:** Lideran la búsqueda de los mejores proyectos de investigación de las etapas clínicas y hacen todo lo posible para ayudar a que los financien.

**LO QUE LES GUSTA MÁS DE TRABAJAR EN CIRM:** El resto del equipo



#### DENISE D'ANGEL

DIRECTORA DE RECURSOS HUMANOS

Por finalizar el 100 por ciento de las revisiones de desempeño del equipo de CIRM a tiempo.

#### ¿Qué hace usted en CIRM?

Como todos en CIRM, mi trabajo es ayudar a la gente. Me aseguro de que todos los salarios, beneficios y otros pagos se realicen a tiempo y de que se responda a las inquietudes para que nuestro equipo pueda concentrarse en su trabajo. Brindo apoyo "detrás de las cámaras" para que los pacientes que los necesitan reciban los tratamientos con células madre para transformar su vida.

#### ¿Qué es lo que le gusta más de trabajar en CIRM?

El trabajo que realizamos aquí salva vidas. Como mínimo, las mejora. Mi meta siempre ha sido hacer algo significativo, y también es gratificante saber que soy parte de un equipo que cree en esto. Esto realmente nos une y nos conecta a las personas a quienes ayudamos—al menos por un momento si no de por vida.



#### LILIA LEAL

DIRECTORA DE SUPERVISIÓN DE FINANZAS, EQUIPO DE FINANZAS

Por su papel fundamental en la reducción de 30 días del tiempo de tramitación de los pagos de honorarios y subvenciones.

#### ¿Cuál es su papel en CIRM?

Me aseguro de que entreguemos correctamente nuestros pagos de subvención y que paguemos nuestras facturas a tiempo. Esto significa que nuestro equipo siempre tiene los recursos necesarios para cumplir lo que CIRM se ha dispuesto a hacer y no se interrumpe nuestro servicio.

#### ¿Cuál es su parte favorita del trabajo?

Me encanta lo que hacemos: acelerar cómo conseguimos más tratamientos eficaces con células madre para los pacientes que los necesitan. Todos son muy serviciales, inteligentes y cariñosos, y trabajamos bien juntos. Realmente me gusta ir al trabajo todos los días.



#### SHYAM PATEL, Ph.D.

DIRECTOR PRINCIPAL DE CIENCIAS, DESARROLLO Y REVISIÓN DE CARTERA

Por finalizar a tiempo el 100 por ciento de nuestras revisiones de las solicitudes de subvención para investigación.

#### ¿Cuéntenos sobre su trabajo en CIRM.

Ayudo a financiar el desarrollo de los tratamientos con células madre con el mayor potencial de mejorar la vida de los pacientes. Me aseguro de que los principales expertos en el campo revisen cada solicitud de subvención justamente para determinar el mérito científico y clínico.

#### ¿Qué se destaca?

CIRM es un entorno de verdadera colaboración y me encanta trabajar con gente muy dedicada y apasionada. También me encanta que cada día me entero de enfoques innovadores y fuera de lo común para tratar y curar a pacientes con necesidades médicas no cubiertas.



#### PAUL WEBB, Ph.D.

DIRECTOR PRINCIPAL DE CIENCIAS Y GERENTE DE PROGRAMAS, EQUIPO "THERAPEUTICS"

Por finalizar 40 reuniones del panel de asesoramiento clínico (CAP, por sus siglas en inglés) en menos de seis meses.

#### ¿Cómo ayuda a transformar vidas?

CIRM otorga dinero a científicos y médicos que aspiran a desarrollar tratamientos basados en células madre, para enfermedades que no tienen ninguna cura. Trabajo con estos científicos y médicos para hacer que esto suceda más eficaz y rápidamente. Mi trabajo es organizar conferencias con expertos—tanto investigadores como defensores de pacientes—que puedan asesorar al equipo sobre los problemas que experimentan a medida que intentan ofrecer tratamientos con células madre a pacientes.

#### ¿Su mejor momento diario en el trabajo?

Me gusta la sensación que surge de ayudar a brindar curas a los pacientes.



RYAN WELLS  
ESPECIALISTA EN ADMINISTRACIÓN DE SUBVENCIONES

Por la administración del dinero que mantiene encaminado a CIRM en el logro de su misión.

#### ¿Qué hace en CIRM?

Cuando los científicos solicitan y reciben una subvención financiada por CIRM para sus proyectos de investigación, ayudo a establecer un contrato formal para esta financiación y a que lo firmen las personas apropiadas. Además, administro el pago de la subvención que se otorga a los científicos, reviso los presupuestos para su investigación y me aseguro de que se cumplan nuestras pautas para el gasto del dinero de las subvenciones.

#### ¿Qué le gusta más de lo que hace cada día?

CIRM provee un desafío profesional interesante. Siempre nos adaptamos a la naturaleza cambiante de nuestras carteras de otorgamiento —ya sea una investigación básica, proyectos de capacitación o ensayos clínicos.



GEOFF LOMAX  
DIRECTOR PRINCIPAL DE ASUNTOS MÉDICOS Y CENTROS ESTRATÉGICOS

Por hacer que se aprueben a tiempo dos nuevos otorgamientos para clínicas "Alpha" de células madre.

#### ¿Qué hace en CIRM?

Coordino la red de clínicas "Alpha" de células madre de CIRM y apoyo otras iniciativas relacionadas con las normas.

#### ¿Qué le gusta más de trabajar en CIRM?

Es una máquina eficaz y sencilla que produce tratamientos, en la que todos tienen una política de puertas abiertas para poder compartir excelentes ideas.

Cada momento cuenta.  
No se detengan ahora.



CHRISTINE BROWN, Ph.D.  
CITY OF HOPE NATIONAL MEDICAL CENTER  
(CENTRO MÉDICO NACIONAL, "CITY OF HOPE")

INVESTIGADORA

LA TERAPIA DE CÉLULAS T CON RECEPTORES DE ANTÍGENO QUÍMICO (CAR-T, POR SUS SIGLAS EN INGLÉS) ES UNO DE LOS NUEVOS ENFOQUES MÁS INTERESANTES PARA TRATAR CÁNCERES MORTALES.

La Dra. Christine Brown de City of Hope, profesora de Inmunoterapia de la Red de Proveedores de "Heritage", está utilizando células T con receptores de antígeno químico, en la Fase 1 de un ensayo clínico financiado por CIRM, para tratar un cáncer cerebral agresivo llamado glioma maligno. Como parte de este tratamiento, se reestructuran las propias células del sistema inmune del paciente para ayudarlo a luchar contra el tumor.

"Si fuera fácil, ya lo hubiéramos curado", explica ella.

De todos los tumores sólidos, los cerebrales son los más difíciles de tratar, y existen muchas maneras en que los tumores pueden evadir el sistema inmune. En su investigación, la Dra. Brown está observando diferentes enfoques para superar estos desafíos, incluyendo la combinación de células CAR-T con otras terapias.

“Es un gran rompecabezas sobre el conocimiento de la biología humana y de cómo podemos hacer que las nuevas terapias funcionen de una manera más eficaz”.

"Hemos visto dos aprobaciones recientes de terapias con células T-CAR para el cáncer en las que se reestructuran las propias células inmunes del paciente—utilizando las herramientas de la terapia génica—para tratar el cáncer específico del paciente. Esta forma de terapia génica representa un paradigma totalmente nuevo en el tratamiento del cáncer. Y los primeros resultados están cambiando la manera en que tratamos los tumores graves.

Esta experiencia demuestra cómo un solo avance fundamental en las ciencias puede introducir una manera totalmente nueva de combatir la enfermedad”.

Testimonio del Comisionado de la FDA, Scott Gottlieb, M.D. ante el Comité sobre Salud, Educación, Trabajo y Pensiones del Senado de los Estados Unidos

## #PERSISTENTE



PACIENTE

CALEB SIZEMORE  
DIAGNOSTICADO CON DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE (DMD, POR SUS SIGLAS EN INGLÉS)

Con solo 20 años de edad, Caleb Sizemore tiene distrofia muscular de Duchenne, una enfermedad genética que ataca lentamente los músculos. Caleb tiene dificultades para mantenerse parado por largos periodos de tiempo, caminar y subir escaleras, pero no se da por vencido.

Como la enfermedad también ataca el corazón y los pulmones, muchas personas con DMD no viven más allá de la segunda década. Caleb está tomando medicamentos para controlar la acumulación de tejido de cicatrización en el corazón, pero los medicamentos no pueden revertir el daño.

Como paciente en el ensayo HOPE de Capricor, Caleb recibió una transfusión de un producto de célula madre derivado del corazón, a su corazón—una terapia que se está examinando para determinar su capacidad para revertir la cicatrización causada por el DMD.

Eso es un gran éxito para Caleb, su familia y la comunidad de DMD.

La FDA le ha dado permiso a Capricor, la compañía que dirige este ensayo, para que siga estudiando el producto para el DMD.

“Es un asombroso milagro, gracias a CIRM que ha financiado este tratamiento con células madre”.

**CONCILIACIÓN FINANCIERA DE 2017**  
ACTIVIDAD DE OTORGAMIENTOS PARA EL AÑO CALENDARIO 2017

Nuestras proyecciones fiscales del plan estratégico continúan según lo planeado. Durante el año, el saldo no comprometido —la cantidad de dinero restante que CIRM no ha asignado a un proyecto específico— disminuyó de \$528 millones a \$270 millones. Esto fue el resultado de \$262 millones en nuevos otorgamientos emitidos, que se compensa con \$41 millones en reducciones activas de otorgamientos. En la actualidad, CIRM tiene \$464.5 millones bajo administración activa en 263 proyectos y \$335 millones que estarán disponibles para nuevos otorgamientos hasta mediados de 2020.

A PARTIR DEL 1 DE ENERO DE 2017	SERIES
• SALDO COMPROMETIDO/NO COMPROMETIDO	\$2,228/\$528M
• CANTIDAD/SALDO BAJO GESTIÓN ACTIVA	255/\$406M
<b>ACTIVIDAD PREVISTA DE 2017</b>	
• BB OTORGAMIENTOS AGREGADOS	\$302.5M
• REDUCCIONES DE OTORGAMIENTOS	\$41.9M
<b>A PARTIR DEL 31 DE DICIEMBRE DE 2017</b>	
• SALDO COMPROMETIDO/NO COMPROMETIDO	\$2,488/\$267M
• CANTIDAD/SALDO BAJO GESTIÓN ACTIVA	263/\$435M
<b>FUTURA RECUPERACIÓN PREVISTA (2018-2019)</b>	\$68M
<b>FINANCIACIÓN PROYECTADA DISPONIBLE PARA NUEVOS OTORGAMIENTOS</b>	<b>\$335 MILLONES</b>

**PRESUPUESTO APROBADO PARA 2018**  
PRESUPUESTO APROBADO PARA EL AÑO CALENDARIO 2018

El tipo, número y valor del dólar de los otorgamientos presupuestados de 2018. (Los otorgamientos son para los fines de una guía y no son vinculantes.)

El presupuesto aprobado por el Consejo para 2018 requiere \$170 millones en nueva inversión, lo cual es equivalente aproximadamente a 30 nuevos otorgamientos.

PROGRAMA	INVERSIÓN
EDUCACIÓN	\$0.8M
DESCUBRIMIENTO	\$10M
TRADUCCIÓN	\$30M
CLÍNICO	\$130M
<b>TOTAL</b>	<b>\$170.8 MILLONES</b>

M = MILLÓN B = BILLÓN

**REVISIÓN DE LOS RIESGOS**

En CIRM, estamos trabajando para desarrollar curas para las enfermedades que son responsables de más muertes que cualquier otra — desde la enfermedad cardíaca y la embolia cerebral, hasta el cáncer y la diabetes. En nuestros intentos de abordar, debemos enfrentarnos a ciertos riesgos y superar desafíos. Ser conscientes de lo que puede impedir el logro de nuestros objetivos, solo hace que estemos más decididos a triunfar.

DESAFÍOS	DESEMPEÑO
SUFICIENTES PROGRAMAS DE ALTA CALIDAD PARA 50 NUEVOS ENSAYOS CLÍNICOS EN 5 AÑOS.	26 NUEVOS ENSAYOS DURANTE MÁS DE 2 AÑOS.
INTERÉS ADECUADO EN LA PARTICIPACIÓN EN ENSAYOS CLÍNICOS DE SOLICITANTES CALIFICADOS.	NUMEROSOS SOLICITANTES DE ALTA CALIDAD.
REEMPLAZO DEL EQUIPO DE CIRM E INCAPACIDAD DE CONTRATAR TALENTO DE REEMPLAZO QUE SEA DE ALTA CALIDAD.	RETIENE Y CONTRATA EL MEJOR TALENTO.
INSUFICIENTE INTERÉS DE LOS INVERSORES EN TERAPIA CON CÉLULAS.	EN 2017, LOS SOCIOS COMPROMETIERON MÁS DE \$389 MILLONES, INDEPENDIENTES DE LA FINANCIACIÓN DE CIRM, PARA AYUDAR A QUE AVANCE EL PROYECTO.
LOS ASUNTOS REGULATORIOS DETIENEN EL AVANCE.	LA LEY DE CURAS DEL SÍMBOLO XXI ELIMINÓ LOS OBSTÁCULOS Y LLEVÓ A UN CAMINO HACIA UNA APROBACIÓN MÁS RÁPIDA. SE LE OTORGÓ A CIRM 3 DE LAS PRIMERAS 12 DESIGNACIONES DE DMAT DE FDA.



#VALIENTE

PACIENTE TOM HOWING CÁNCER DE ETAPA IV

“Sabía que me esperaba una batalla, pero dije: ‘Vamos a probarlo’. Los escaneos muestran que la terapia ha reducido dramáticamente el cáncer”.

En marzo de 2015, se diagnosticó a Tom Howing con un cáncer de etapa IV en todo el cuerpo. Después de dos series de cirugía, quimioterapia y algunos primeros resultados prometedores, el cáncer regresó.

Los médicos recomendaron que Tom se una al ensayo clínico CD47, que utiliza un enfoque combinado para ayudar a que el propio sistema inmune del paciente luche contra las células cancerosas y las mate.

Los ensayos clínicos de la etapa 1, tales como el ensayo CD47, se utilizan para determinar la seguridad del tratamiento cuando todavía hay muchos “interrogantes”. Aun así, los escaneos de Tom y los análisis de sangre indicaron que parecía que se había controlado el cáncer—y eso fue un triunfo.

Tom ha estado ayudando en una granja orgánica local. “Me está yendo sorprendentemente bien”, dijo él. “El tratamiento es mucho menos agresivo que la quimioterapia”.



ADRIENNE SHAPIRO DEFENSORA DE PACIENTES

**LEVANTÁNDOSE Y ALZANDO LA VOZ**

CIRM crea paneles de asesoramiento clínico para todos los ensayos clínicos que financia. Cada panel incluye a un director de ciencias de CIRM, expertos científicos independientes y un representante del paciente. Todos los miembros del equipo orientan y asesoran a los investigadores para ayudar a que cada ensayo sea exitoso.

“Voy a ser la última mujer en mi familia que tenga un hijo con la enfermedad de células falciformes”.

Adrienne Shapiro es la representante de pacientes en el panel de asesoramiento clínico que aborda la enfermedad de células falciformes—y es una fuerza que merece ser considerada.

Ella está comprometida a abordar las necesidades psicosociales de los pacientes, sabiendo qué tan importante es tener un respaldo sólido para su recuperación.

“El peso de haber pasado o transmitido una enfermedad genética que afecta a mi hijo es enorme”, dice ella. Es lo que la motiva a ser una fuerza impulsora de una cura, y guía su esfuerzo como miembro del panel de CIRM, que brinda la esperanza de que esta enfermedad desaparezca.

Adrienne sabe que puede marcar una diferencia y le da satisfacción hablar por aquellos con la enfermedad de células falciformes, teniendo la certeza de que su voz y las voces de otros afectados por la enfermedad se escuchan fuerte y claramente.



CIRM está financiando el trabajo del Dr. Matt Porteus, de la Universidad de Stanford, que utiliza la herramienta de análisis para la edición de genes CRISPR, con el propósito de corregir la mutación genética que causa la enfermedad de células falciformes. Muchos científicos consideran que CRISPR es una poderosa herramienta, que puede ayudar a transformar nuestra capacidad de eliminar genes defectuosos o insertar genes saludables, a fin de tratar enfermedades.



#POSITIVO

PACIENTE JOHN WELSH DIABETES TIPO 1

“Le digo a mi hijo que tengo la posibilidad de ayudar a que se trabaje para lograr un excelente tratamiento—hasta una cura—para esta terrible enfermedad”.

John Welsh tiene diabetes tipo 1, una enfermedad autoinmune en que el cuerpo deja de producir insulina. Si no se trata, esta enfermedad puede dañar los ojos, los riñones y el corazón, y hasta causar la muerte.

En marzo de 2015, John se convirtió en el séptimo paciente en un ensayo clínico que probaba un dispositivo médico que contenía células madre convertidas en los tipos de célula destruidos por la diabetes tipo 1. Se implantó el dispositivo debajo de la piel, en la espalda de John. La esperanza era que las células midieran el flujo sanguíneo y, cuando el azúcar en sangre fuera bajo, secretaran insulina para restaurarlo a un nivel saludable.

John sabía que el ensayo podría no dar buenos resultados, pero como ciclista ávido siente que la vida es una travesía y es decisivo tener una actitud positiva. “Aunque el ensayo clínico no resulte como desean, van a aprender algo”, dijo Tom.

“Estamos muy agradecidos a CIRM por su continuo apoyo de nuestras terapias de reemplazo de células, derivadas de células madre, para la diabetes. Con este tratamiento, aspiramos a abordar una necesidad médica decisiva que no está cubierta—y que potencialmente puede transformar la vida de aquellos que están seriamente afectados por la diabetes tipo 1”.

PAUL LAIKIND, Ph.D. PRESIDENTE Y DIRECTOR GENERAL DE VIACYTE

La FDA autorizó a ViacYTE la compaña que respaldó el implante de John, para realizar un segundo ensayo clínico que utiliza un nuevo dispositivo.



## PROGRAMAS SOBRE EDUCACIÓN DE LAS CIENCIAS

En CIRM, entendemos que fomentar las ciencias es un proceso a largo plazo. Es por eso que estamos comprometidos a educar a la próxima generación de científicos de células madre—el talento que necesitamos para seguir acelerando el campo durante los años y décadas venideras.

### ESTUDIANTES DE LA ESCUELA SECUNDARIA

Se ha diseñado el programa SPARK (programa de verano para acelerar la medicina regenerativa) de CIRM para educar a estudiantes de la escuela secundaria sobre las células madre y proveerles experiencia práctica en un laboratorio de investigación de células madre de primera categoría. Seleccionamos estudiantes que representan la diversa población de California y, en particular, aquellos que posiblemente no puedan participar en pasantías de investigación debido a limitaciones financieras.

### ESTUDIANTES UNIVERSITARIOS Y DE MAESTRÍAS

El programa de otorgamientos por investigación de células madre "Bridges" (Bridges to Stem Cell Research Awards) requiere que se eduque una nueva generación

de científicos de células madre para el próximo nivel. Ofrecemos clases y prácticas en escuelas y centros de estudios superiores del Estado de California, seguido de pasantías en las principales universidades y laboratorios estatales de células madre. Más de 1100 estudiantes han finalizado nuestro programa "Bridges". Más del 50 por ciento de estos estudiantes actualmente tienen puestos de laboratorio, de tiempo completo, en más de 20 universidades e institutos de investigación, y 50 compañías biotecnológicas y farmacéuticas. (Estas están basadas en gran parte en California.) Un 30 por ciento adicional de estos estudiantes están inscritos en escuelas de posgrado o profesionales.

### EDUCACIÓN ADICIONAL

CIRM también trabaja estrechamente con los programas estudiantiles en todo el estado. Nuestro personal inspira

regularmente a audiencias en escuelas secundarias y universidades con charlas y presentaciones.

En octubre de 2017, Geoff Lomax, director principal de asuntos médicos y centros estratégicos, fue un presentador destacado en la Universidad de California, Sociedad Estudiantil para el Simposio Anual de Investigación de las Células Madre de Berkeley.

El creó un juego al estilo de Jeopardy para incentivar la participación de los estudiantes en un debate sobre la ética y la política de la investigación de las células madre, convirtiendo lo que puede considerarse como un tema aburrido en una experiencia divertida y activa.

También nos gusta comunicarnos con las audiencias en una comunidad más amplia, dando charlas para clubs rotarios y cafés de ciencias, y uniéndonos a presentaciones con organizaciones alineadas, como la Fundación para la Lucha contra la Ceguera (Foundation Fighting Blindness).

### EVENTOS DE LOS DEFENSORES DE PACIENTES

Por ser nuestros más ávidos seguidores, la comunidad de defensores de pacientes se merece una especial atención de CIRM. Su dedicación de tiempo, energía y recursos para mejorar la vida de los demás nos inspira para continuar haciendo lo que hacemos.

Este año llevamos a cabo cuatro eventos en toda California: en la Universidad de California, San Diego; Gladstone Institutes en San Francisco; Universidad de California, Davis en Sacramento, y Cedars-Sinai en Los Ángeles. Los oradores de cada institución anfitriona hablaron sobre su trabajo—incluyendo la investigación financiada por CIRM—y dos miembros de nuestro personal presentaron la investigación que estamos respaldando y el papel vital que juega la comunidad de defensores de pacientes en este esfuerzo.

Para nosotros, estos eventos de defensores del paciente son una oportunidad de comunicarnos con las personas que ayudaron a crear CIRM y de proveerles información actualizada sobre nuestro progreso, incluyendo cómo estamos invirtiendo en terapias que esperamos cambien y salven vidas.

# #AMBICIOSO

“ Solo recuperar la función de la mano me ha devuelto casi todo lo que necesitaba o quería”.



Un domingo a la mañana, a principios de 2016, Lucas Lindner salió en su camión a comprar unas rosquillas para su abuela. De pronto se le cruzó un ciervo en el camino. Lucas dio un volantazo para tratar de evitarlo y chocó, sufriendo una lesión grave de médula espinal que lo dejó paralizado del cuello para abajo.

Lucas participó en un ensayo clínico financiado por CIRM, convirtiéndose en la segunda persona a quien se le han trasplantado 10 millones de células madre en el cuello. Ha recuperado el uso de sus brazos y manos, y esta es una señal prometedora en un ensayo diseñado para examinar si el tratamiento con células madre puede restaurar las funciones después de una lesión de médula espinal.

En agosto de 2017, Lucas lanzó la primer pelota en un partido de béisbol de los Brewers de Milwaukee.

En tercer grado, él le dijo a su clase que quería ser ingeniero neuroinformático —alguien que construye modelos basados en computadoras para explicar datos y funciones biológicas del cerebro. Ahora, después de su accidente, sus ambiciones son aún más claras. Desea ser parte de una ciencia que avanza y ayuda a que las lesiones de este tipo sean algo del pasado.

Asterias, la compañía que realiza esta investigación de células madre, ha finalizado la inscripción de los 25 pacientes en este ensayo clínico.



En el informe anual del año pasado, destacamos a Jake Javier, que participó en el mismo ensayo clínico que Lucas. Jake es actualmente un estudiante de primer año en Cal Poly, y estudia ingeniería biomédica, con la esperanza de tener una carrera en investigación de células madre.

**CIRM**  
AGENCIA DE CÉLULAS MADRE DE CALIFORNIA

1999 HARRISON STREET, SUITE 1650  
OAKLAND, CA 94612  
(510) 340-9101

[WWW.CIRM.CA.GOV](http://WWW.CIRM.CA.GOV)

Source URL: <https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/informe-anual-de-2017>